



**República Argentina - Poder Ejecutivo Nacional**  
1983/2023 - 40 AÑOS DE DEMOCRACIA

**Disposición**

**Número:**

**Referencia:** 1-0047-0002-001334-23-9.

---

VISTO el Expediente N° 1-0047-0002-001334-23-9, del Registro de la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica, y

**CONSIDERANDO:**

Que por las presentes actuaciones la firma PTC Therapeutics Inc, representado en Argentina por WORLDWIDE CLINICAL TRIALS S.R.L., solicita autorización para efectuar el Ensayo Clínico denominado: PTC857-CNS-001-ALS: “Estudio de fase 2, aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo y de grupos paralelos para evaluar la eficacia, la seguridad, la tolerabilidad, la farmacocinética y los efectos biomarcadores de PTC857 en pacientes adultos con esclerosis lateral amiotrófica (CARDINALS)”, Protocolo PTC857-CNS-001-ALS – Protocolo V 3.0 V 3.0 del 13/07/2022 Con Carta de compromiso v 1 de fecha 22 de febrero 2023 sobre proceso de consentimiento informado, prueba de embarazo y visitas domiciliarias, Justificación del placebo del 11 de marzo de 2022 y Carta Administrativa de Protocolo del 11 de agosto 2022. Producto en Investigación PTC857: inhibidor de la enzima 15 LO (lipooxigenasa) oxidorreductasa.

Que a tal efecto solicita autorización para ingresar al país la droga necesaria, documentación y enviar material biológico al exterior.

Que tomó intervención el Comité de Ética en Investigación (CEI), acreditado por la Autoridad Sanitaria jurisdiccional correspondiente, el cual ha aprobado el protocolo, el modelo de consentimiento informado para el paciente, como así también la participación del investigador principal y el centro propuesto.

Que el informe técnico de la Dirección de Investigación Clínica y Gestión del Registro de Medicamentos resulta favorable.

Que la Dirección de Asuntos Jurídicos ha tomado la intervención de su competencia.

Que se aconseja acceder a lo solicitado por haberse cumplimentado lo establecido en la Disposición ANMAT N°

6677/10, sus modificatorias y complementarias, que aprueba el Régimen de Buena Práctica Clínica para Estudios de Farmacología Clínica.

Que se actúa en virtud a las facultades conferidas por el Decreto N° 1490/92 y sus modificatotos.

Por ello;

EL ADMINISTRADOR NACIONAL DE LA ADMINISTRACION NACIONAL DE  
MEDICAMENTOS, ALIMENTOS Y TECNOLOGÍA MÉDICA

DISPONE:

ARTICULO 1°.- Autorízase a la firma PTC Therapeutics Inc representado en Argentina por WORLDWIDE CLINICAL TRIALS S.R.L. a realizar el estudio clínico denominado: PTC857-CNS-001-ALS: “Estudio de fase 2, aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo y de grupos paralelos para evaluar la eficacia, la seguridad, la tolerabilidad, la farmacocinética y los efectos biomarcadores de PTC857 en pacientes adultos con esclerosis lateral amiotrófica (CARDINALS)”, Protocolo V 3.0 del 13/07/2022 Con Carta de compromiso v 1 de fecha 22 de febrero 2023 sobre proceso de consentimiento informado, prueba de embarazo y visitas domiciliarias, Justificación del placebo del 11 de marzo de 2022 y Carta Administrativa de Protocolo del 11 de agosto 2022. Producto en Investigación PTC857: inhibidor de la enzima 15 LO (lipooxigenasa) oxidoreductasa.

ARTICULO 2°.- El estudio clínico autorizado por el artículo 1° se llevará a cabo en el centro, a cargo del investigador principal y con el/los modelos/s de consentimiento/s, aprobados por el Comité de Ética en Investigación, que se detallan a continuación:

Información del investigador, del centro de investigación, del Comité de Ética en Investigación (CEI) y del consentimiento informado	
Nombre del investigador	Dr. Roberto Rey
Nombre del centro	Instituto Argentino de Investigación Neurológica S.R.L- IADIN
Dirección del centro	Uruguay 824-1 ° Piso (C1015ABR), Ciudad Autónoma de Buenos Aires, Argentina
Teléfono/Fax	15 4 998 1593
Correo electrónico	robertorey@iadin.com.ar
Nombre del CEI	Comité Independiente de Ética e Investigación Biomédica (CIEIB) de la

	Fundación Neurológica de Buenos Aires
Dirección del CEI	Uruguay 824 -1 ° Piso (C1015ABR) Ciudad Autónoma de Buenos Aires
N° de versión y fecha del consentimiento	<p>PTC857-CNS-001-ALS _FCI para el cuidador para Argentina: V 3.1.2 - Dr. Rey ( 02/03/2023 )</p> <p>PTC857-CNS-001-ALS - FCI principal para Argentina: V Versión 5.1.3 - Dr. Rey ( 12/04/2023 )</p> <p>PTC857-CNS-001-ALS - FCI para LTE, Argentina: V Versión 5.1.3 - Dr. Rey ( 12/04/2023 )</p> <p>PTC857-CNS-001-ALS FCI para la pareja embarazada, Argentina: V Versión 3.1.2 - Dr. Rey ( 12/04/2023 )</p>

ARTICULO 3°.- Autorízase el ingreso de:

a) Medicación:

INGRESO DE MEDICACIÓN						
Principio activo, concentración y presentación	Forma farmacéutica	Unidad	Cantidad administrada por dosis	Numero total dosis por paciente	Cantidad Total de kits y/o envases	Presentación
PTC857 60mg/ml or placebo	Solución oral	miligramos	250	876	700	Frascos de vidrio ámbar con tapas a prueba de niños llenas de múltiples dosis de IMP (botella de 175 ml)
PTC857 60mg/ml	Solución oral	miligramos	250	876	700	(botella de 175 ml)

b) Materiales:

MATERIALES PARA IMPORTAR	
Detalle	Importar

Electrocardiógrafo con accesorios para su correcto funcionamiento	5
Cables para electrocardiógrafo	6
Adpatador para USB	6
Electrodos (Paquete con 30 unidades)	24
Espirómetro con accesorios para su correcto funcionamiento	6
Cables para espirómetro	6
Fuente de alimentación para espirómetro	6
Fuente de alimentación para espirómetro	6
Unidad USB	6
Adaptador WiFi	6
Filtros desechables (Caja conteniendo 50 unidades)	60
Papeles para impresión de los exámenes	60
Tubos gemelos	800
Jeringa de Precisión	400
Clips nasales (Caja con 50 unidades)	16
Boquillas (Caja con 50 unidades)	16
Mascarilla de silicona	100

Impresora con accesorios para su correcto funcionamiento	6
Cartuchos de impresora	24
Oxímetro de pulso	6
Sondas nasales de varios tamaños (Paquete de 30 unidades)	24
Adaptador de sonda nasal	24
Dispensador oral (caja con 50 unidades)	10
Adaptador de botella a presión (caja con 20 unidades)	30
Bolsas refrigerantes	40
Dispositivo Mi-FI con accesorios para su correcto funcionamiento	6
Biblioratos del estudio	6
Mini Protocolos	32
Documentos/Manuales del estudio	60
Freezer con accesorios para su correcto funcionamiento	4
Centrífuga refrigeradora con accesorios para su correcto funcionamiento	4
Cajas y documentos de envío	80
BSA Blocking Buffer 3% en PBS 250ML	400
Bandeja para punción lumbar con aguja	400

Tests de embarazo (caja con 25 unidades)	8
Escáner láser con accesorios para su correcto funcionamiento	6
Tiras de prueba (caja con 100 unidades)	8
Recolector de orina con tapa (caja con 25 unidades)	8
Aguja-21G	980
Tubo SST-3.5ML	980
Tubo SST-4ML	980
Kits de laboratorio para recolección de muestras biológicas	120

El ingreso de la medicación y materiales detallados en el presente artículo se realiza al sólo efecto de la investigación que se autoriza en el Artículo 1° quedando prohibido dar otro destino a la misma, bajo penalidad establecida por la Disposición ANMAT N° 6677/10.

ARTICULO 4°.- Autorízase el envío de muestras biológicas de acuerdo al siguiente detalle:

MUESTRAS BIOLOGICAS			
Tipo de Muestra	Destino	Origen	País
Sangre, Orina, Suero, LCR y Farmacocinética	PPD, 2 Tesseneer Drive Highland Heights, KY 41076, USA	Argentina	Estados Unidos

A los fines establecidos en el presente artículo deberá recabar el solicitante la previa intervención del Servicio de Comercio Exterior de esta Administración Nacional.

ARTICULO 5°.- Los envíos autorizados en el artículo precedente deberán efectuarse bajo el estricto cumplimiento de las normas IATA correspondientes, asumiendo el solicitante las responsabilidades emergentes de los posibles daños que pudieran haber por dicho transporte.

ARTICULO 6°.- Notifíquese al interesado que los informes parciales y finales deberán ser elevados a la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica, en las fechas que se establezcan al efecto, para su evaluación y conclusiones finales por parte de los funcionarios que serán designados a tal efecto.

En caso contrario los responsables se harán pasibles de las sanciones pertinentes que marca la Ley N° 16.463 y la Disposición ANMAT N° 6677/10.

ARTICULO 7°.- Establécese que de acuerdo a lo dispuesto en el punto 3.11, Sección C, Anexo de la Disposición ANMAT N° 6677/10, la firma WORLDWIDE CLINICAL TRIALS S.R.L., quien conducirá el ensayo clínico en la República Argentina, quedará sujeta a la citada normativa, asumiendo todas las responsabilidades que corresponden al patrocinador en materia administrativa, contravencional y civil no pudiendo eximirse de las mencionadas responsabilidades ni aun en el supuesto de haber transferido total o parcialmente la realización de las funciones que le corresponden en tal carácter.

ARTICULO 8°.- Establécese la obligatoriedad del Patrocinador e Investigador principal de cumplir con lo establecido en la carta compromiso v1 de fecha 22 de febrero de 2023 en la que se describen los requerimientos locales sobre el proceso de consentimiento informado, la prueba de embarazo en orina en mujeres fértiles y las visitas domiciliarias.

ARTÍCULO 9°.- Regístrese; notifíquese electrónicamente al interesado la presente Disposición. Cumplido, archívese.

Expediente N°: 1-0047-0002-001334-23-9.